



令和5年度 再生医療実現加速化プログラム (再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点)

公募説明資料

令和4年12月

国立研究開発法人日本医療研究開発機構（AMED）

再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課

再生医療実現加速化プログラム（再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点）
事務局

説明内容

1. 再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクトについて
2. 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラムについて
3. 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点について
4. 事務説明

再生・細胞医療・遺伝子治療プロジェクト 事業概要



基礎から臨床段階まで切れ目なく一貫した支援を行うとともに、再生医療関連事業のための基盤整備ならびに、iPS細胞等の創薬支援ツールとしての活用に向けた支援を進め、新薬開発の効率性の向上を図る。

基礎・応用研究

非臨床試験

臨床研究・治験

再生医療等製品の実現化

■ 再生・細胞医療・遺伝子治療 実現加速化プログラム

- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題
- 技術開発個別課題
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- 難治性疾患実用化研究事業
- 革新的がん医療実用化研究事業

- 再生医療実用化研究事業
- 再生医療実用化基盤整備促進事業

■ 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

- 再生・細胞医療・遺伝子治療産業化促進事業
- QbDに基づく再生医療等製品製造の基盤開発事業
- 再生医療等製品用ヒト(同種)体性幹細胞原料の安定供給促進事業
- 遺伝子治療製造技術開発

創薬等への活用

■ 再生・細胞医療・遺伝子治療 実現加速化プログラム

- 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題
- 幹細胞・再生医学イノベーション創出プログラム
- 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- 再生医療実用化研究事業

■ 再生医療・遺伝子治療の産業化に向けた基盤技術開発事業

- 再生医療技術を応用した高度な創薬支援ツール技術開発

文科省

厚労省

経産省

再生医療の実用化(市販・医療への普及等)

再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム

令和5年度要求・要望額 12,096百万円（新規）

※令和4年度は再生医療実現拠点ネットワークプログラム
（9,066百万円）で実施



背景・課題 / 令和5年度概算要求のポイント

（事業期間：令和5年度～令和9年度）

- 「経済財政運営と改革の基本方針2022」では再生・細胞医療・遺伝子治療分野は国益に直結する分野と明示されており、「新しい資本主義のグランドデザイン及び実行計画」でも、次世代iPS細胞やオルガノイド等の革新的な研究開発を進めると共に、実用化に向けて、再生・細胞医療と遺伝子治療の垣根を取り払い一体的な研究開発を推進することが掲げられている。
- 再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究の推進、若手研究者の育成促進と裾野の拡大、異分野・他機関との連携と人材育成機能を包括したチーム型研究の推進、リバーストランスレーショナルリサーチの実施、中核拠点をハブとした連携・相乗効果の創出、開発早期から出口を見据えた研究開発と戦略的伴走支援の充実、疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明や創薬研究の推進を行う。

① 再生・細胞医療・遺伝子治療研究開発課題

（基礎応用・非臨床/個別型・チーム型）

- ・ 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の融合研究を推進
- ・ 革新的な創薬・治療法の実用化を見据えた基礎・応用研究の実施
- ・ 治療法の臨床試験に直結する非臨床PoC取得研究の実施
- ・ リバーストランスレーショナルリサーチの実施
- ・ 異分野研究者・企業等との総合力を生かしたチーム型研究を推進

② 再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点

- ・ 次世代iPS細胞の開発、リプログラミングの解明、革新的なゲノム編集技術開発等の再生・細胞医療・遺伝子治療分野の共通基盤研究の実施

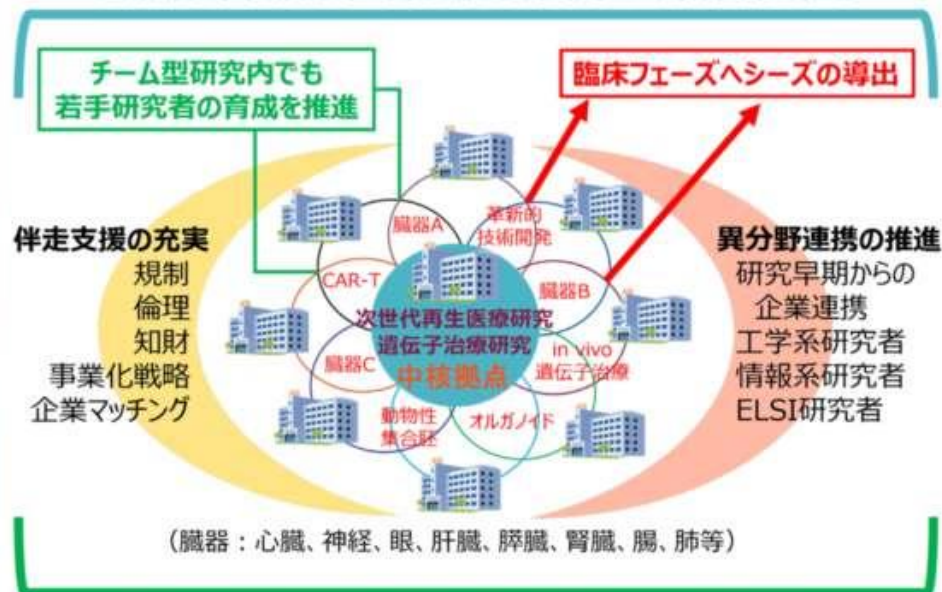
③ 疾患特異的iPS細胞を用いた病態解明・創薬研究課題

- ・ 難病等の患者由来の疾患特異的iPS細胞等を活用した疾患発症機構の解明、病態解析技術の高度化、創薬研究の推進
- ・ 疾患付随情報が充実した疾患特異的iPS細胞バンクの整備と利活用促進

④ 再生・細胞医療・遺伝子治療研究実用化支援課題

- ・ 実用化に向けた問題解決・回避のための伴走・マッチング支援の充実化
- ・ 規制・倫理・知的財産面（特許取得、パテントマップ）の伴走支援
- ・ 研究早期からの事業化戦略作成支援
- ・ 細胞・ベクター（細胞へ遺伝子を導入する媒体）の製造基盤整備

中核拠点をハブとした各研究機関、異分野研究者、産業界、医療機関、支援機関による研究分野・対象臓器ごとの多彩なバーチャル化の推進



本分野全体として若手研究者の人材育成を積極的に推進

【事業スキーム】



◆ 事業趣旨

再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野で世界を先導する革新的な研究を推進する拠点機関において、本分野全体の基盤的・横断的な研究となる次世代 iPS 細胞の開発、リプログラミング機構の解明、革新的なゲノム編集技術開発等の研究を推進するとともに、本分野全体を見据えた異分野連携の促進と若手研究者の人材育成を促進するハブ機能を構築します。

◆ 目標

事業趣旨を踏まえて中核的な拠点機能を果たすことにより、世界を先導する次世代iPS細胞の研究開発を含む再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野全体の革新的・基盤的・横断的な研究開発の推進、当該分野の研究者の裾野拡大と次世代を担う若手研究者の輩出、当該分野全体の実用化を促進する成果創出の拡大を目標とします。

研究開発費の規模・研究開発期間・採択課題予定数

#	分野等、公募研究開発課題	研究開発費の規模 (間接経費を含まず)	研究開発実施 予定期間	新規採択課題 予定数
1	再生・細胞医療・遺伝子治療 研究中核拠点	1 課題当たり年間 1,620,000千円 (上限)	令和5年4月(予定) ～ 令和9年度末	0～1課題

研究内容

(A) 再生・細胞医療・遺伝子治療分野の共通基盤研究の一体的推進。

(a)次世代iPS細胞開発

例) 誘導効率の高いiPS細胞、免疫原性が低く移植のしやすいiPS細胞の開発等

(b)革新的高機能細胞の開発

例) 移植に適した幹細胞の開発、合成細胞作製技術等の開発等

(c)初期化・発生再生メカニズムの解明研究

例) 移植を見据えた組織・臓器の再生研究に資する初期化・発生再生メカニズムの解明研究、自己修復メカニズム研究、より簡便な初期化誘導法の開発等

(d)次世代遺伝子送達技術の開発

例) 革新的なゲノム編集技術開発、ウイルス以外の遺伝子送達技術の開発、ウイルス増幅細胞の開発等

(e)再生・細胞医療・遺伝子治療の融合研究に資する技術開発

例) in vivo遺伝子治療技術を応用した組織・臓器の再生研究、次世代iPS細胞および革新的高機能細胞をより効率よく用いるための培養方法の研究等

(f)再生・細胞医療・遺伝子治療の実用化の促進に必要な共通基盤的な基礎研究

例) 臨床用細胞の自動製造に向けた研究開発等

研究内容

(B) 分野内外および国内外の研究者・産業界・医療機関等との連携のためのハブ機能の構築および発揮。

- (a) 再生・細胞医療・遺伝子治療実現加速化プログラム内の各研究実施機関・チームを連携させ相乗効果を創出する研究開発ネットワークのハブとしての役割を実施。
- (b) 再生・細胞医療研究者と遺伝子治療研究者を連携させた新たな共同研究開始のきっかけとなる機会（研究会・セミナー等）の提供及び参画。
- (c) 分野内の研究者に加え、異分野の研究者、海外の研究者、産業界、医療界や、本分野以外の他学会との交流のきっかけとなる機会（研究会・セミナー等）の提供及び参画。

(C) 再生・細胞医療・遺伝子治療研究分野全体を見据えた若手人材育成・裾野の拡大を推進。

- (a) 若手研究者等（2.2.5を参照ください）を他機関から一定期間受入れて研究を通じた人材育成とその結果得られる若手研究者の派遣先研究機関とのネットワーク構築を行うことを含む、本分野全体を視野に入れた人材育成プランを立案・実施。

公募期間・選考スケジュール

公募期間

- 令和4年12月26日(月)～令和5年2月1日(水)正午厳守

書面審査

- 令和5年2月上旬～令和5年2月下旬(予定)

ヒアリング

- 令和5年3月上旬(予定)

採択通知

- 令和5年4月上旬(予定)

交付決定

- 令和5年4月下旬(予定)

提出書類

No.	必須/任意	必要な提案書類	備考
1	必須	(様式 1) 研究開発提案書	研究開発スケジュール、実施体制図、ハブとしての活動計画、若手研究者の育成計画を含む。
2	必須	別紙 1_要約 (英文・和文)	
3	必須	別添_経費内訳	
4	該当する場合は必須	ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコル様式	※ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する場合

対象となる経費

	大項目	定義
直接経費	物品費	研究用設備・備品・試作品、ソフトウェア（既製品）、書籍購入費、研究用試薬・材料・消耗品の購入費用
	旅費	研究開発参加者に係る旅費、外部専門家等の招聘対象者に係る旅費
	人件費・謝金	人件費：当該委託研究開発のために雇用する研究員等の人件費（研究開発代表者・研究開発分担者の人件費※ ² を含む。） 謝金：講演依頼、指導・助言、被験者、通訳・翻訳、単純労働等の謝金等の経費
	その他	上記のほか、当該委託研究開発を遂行するための経費 例）研究成果発表費用（論文投稿料、論文別刷費用、HP作成費用等）、会議費、運搬費、機器リース費用、機器修理費用、印刷費、外注費、ライセンス料、研究開発代表者が所属研究機関において担っている業務のうち研究開発以外の業務の代行に係る経費（バイアウト経費）、不課税取引等に係る消費税相当額等
間接経費	直接経費に対して一定比率（30%目安）で手当され、当該委託研究開発の実施に伴う研究機関の管理等に必要な経費として研究機関が使用する経費	

事務処理説明書・様式集 (https://www.amed.go.jp/keiri/youshiki_itaku.html)

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

- AMEDは、政府の方針に基づき、様々なAMED研究課題で得られたヒト全ゲノムシーケンスデータを取りまとめて大規模なデータセットをつくり、研究開発に提供する基盤「AMEDデータ利活用プラットフォーム」の整備を進めています。
 - 全ゲノムシーケンスデータの大規模解析には、個別のデータの解析プロトコールが揃っていることが、解析結果の精度に直接影響します。そのため、AMEDは、国費を投じて得られたデータを利活用した研究開発において精度の高い解析が可能となるよう、このプラットフォームが窓口となり共有されるヒトの全ゲノムシーケンスデータには、政府の方針※に基づき以下の2点を求めています。
 - ① 既にプラットフォームで共有予定となっているデータと品質を同等に担保すること
 - ② ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究でも円滑に活用可能であること
- ※厚生労働省 第2回「全ゲノム解析等実行計画」の推進に向けた検討会議（令和3年2月16日、資料1）
内閣官房健康・医療推進戦略本部 第8回ゲノム医療協議会（令和4年3月30日、資料3、参考資料3）
- 既にこのプラットフォームで共有予定となっているヒト全ゲノムシーケンスデータとは、現時点では、内閣官房健康・医療推進戦略本部の第5回ゲノム医療協議会（令和3年3月16日）参考資料3で示されたデータのことです。

ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式（2）

- ゲノム解析の先進諸国との国際共同研究とは、現時点では、英国のUK Biobankおよび Genomics Englandや、米国のAll Of Usなどの海外の大規模ゲノムデータリソースを用い、ゲノム医療研究で先行する欧米の研究機関と共同して実施するような研究を想定しています。
- AMEDは、この目的を達成するため、全ゲノムシーケンスの解析プロトコールが公募要領の「2.2.6 データシェアリングについて」に記載されている以下の**5つの要件**を満たしているか確認しています。
 - ライブラリー作成（キット名、断片長等）
 - シーケンス反応（キット名、リード長等）
 - 解析装置の機種名（機種名・型番等。外注の場合は外注先も記入）
 - クオリティーコントロール（QC）の方法
 - リファレンスゲノムとのマッピング及びアセンブルの方法

※ 全ゲノムシーケンス解析

次世代シーケンサーを利用した全ゲノムシーケンス解析及び全エクソーム解析を指します。なお、次世代シーケンサーを用いる解析のうち、全ゲノムまたは全エクソーム以外を対象とするゲノム解析や、アレイ解析、サンガー法によるシーケンス解析は含みません。

- ヒト全ゲノムシーケンス解析を実施する研究課題は、所定の様式※ を提出することにより、解析プロトコールの各項目を示す必要があります。様式が提出されていない場合には応募申請は「不受理」となり、審査の対象となりませんので、提案課題におけるヒト全ゲノムシーケンス解析の実施の有無については十分に注意してご判断ください。

※ ヒト全ゲノムシーケンス解析プロトコール様式

審査項目と観点（１）

事業趣旨との整合性

- 事業趣旨、目標等に合致しているか

科学的・技術的な意義及び優位性

- 本分野全体を見据えた基盤的・横断的な研究であるか
- 現在の技術レベル及びこれまでの実績は十分にあるか
- 独創性、新規性、革新性を有しているか
- 国際的競争力の高い優れた研究成果が期待できるか
- 医療分野の進展に資するものであるか
- 新技術の創出に資するものであるか
- 社会的ニーズに対応するものであるか
- 医療分野の研究開発に関する国の方針に合致するものであるか

計画の妥当性

- 全体計画の内容と目的は明確であるか（得られる成果が、再生・細胞医療・遺伝子治療の社会実装において、広範囲に大きな付加価値を与えるかどうかを含む。）
- 年度ごとの計画は具体的なもので、かつ、実現可能であるか
- 生命倫理、安全対策に対する法令等を遵守した計画となっているか

審査項目と観点（２）

実施体制

- 申請者を中心とした研究開発体制が適切に組織されているか
- 十分な連携体制が構築されているか
- 申請者等のエフォートは適切であるか
- 不合理な重複／過度の集中はないか
- 本分野全体を見据えた若手人材育成が可能な体制が構築されているか

所要経費

- 経費の内訳、支出計画等は妥当であるか

お問い合わせ先

- 公募研究開発課題、評価、提案書類の記載方法等についてのお問い合わせは
下記アドレスまでメールでお願いします。

国立研究開発法人 日本医療研究開発機構
再生・細胞医療・遺伝子治療事業部 再生医療研究開発課
再生医療実現加速化プログラム（再生・細胞医療・遺伝子治療研究中核拠点）事務局

saisei-poc@amed.go.jp

※ E-mail は上記アドレス“AT”の部分を@に変えてください

- 情報の更新がある場合はAMEDウェブサイトの公募情報に掲載します。